

2021年11月17日

各位

ネクスジェン株式会社  
国立大学法人 神戸大学

## 「遺伝子導入長期造血幹細胞を用いた小児難治性希少疾患の治療」の 医療研究開発革新基盤創成事業への採択および活動開始のお知らせ

ネクスジェン株式会社（代表取締役：中島正和）は、遺伝子導入長期造血幹細胞を用いた小児難治性希少疾患の新規治療法開発のための研究開発活動を開始しました。本研究開発は、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下、AMEDという。）の医療研究開発革新基盤創成事業（以下、CiCLEという。）に採択されました。詳しくは以下のURLをご覧ください。

[https://www.amed.go.jp/koubo/17/01/1701C\\_00001.html](https://www.amed.go.jp/koubo/17/01/1701C_00001.html)

今回の活動では、移植後の生着不全、低い遺伝子導入効率、細胞の白血病化といった課題が残っている造血幹細胞を標的とした遺伝子治療に対して、持続的な造血に関与している長期造血幹細胞を用いることでこれらの課題解決を目指します。

本研究開発では、ネクスジェン株式会社と分担機関である国立大学法人神戸大学（所在地：兵庫県神戸市、学長：藤澤正人）他が密に連携して小児の難治性遺伝性疾患の根治治療の開発を目指します。

### CiCLE について

CiCLEは、産学官連携により、我が国の力を結集し、医療現場ニーズに的確に対応する研究開発の実施や創薬等の実用化の加速化等が抜本的に革新される基盤（人材を含む）の形成、医療研究開発分野でのオープンイノベーション・ベンチャー育成が強力に促進される環境の創出を推進することを目的としたAMEDによる事業です。

### ネクスジェン株式会社について

ネクスジェン株式会社は、組織幹細胞がもつ可能性に着目し、その潜在力を最大限活用することで、多くの人に副作用の少ない根治治療法を提供することを目指し設立した会社です。マウス・ヒト由来長期造血幹細胞に関する基盤技術以外に、独自のAI技術開発により個別化治療法の開発やライフサイエンス領域への応用を目指しています。さらに国内外の企業、研究機関との産学連携による共同研究を積極的に進めており、より良い治療効果をもたらす次世代医療プラットフォームを開発することで患者様の

QOLを改善し、多くの患者のみなさまへ、高品質で副作用が少なく安全な再生医療をお届けできることを目指しています。詳細については、当社ホームページ <https://www.nextgem.jp/> をご参照ください。

**【本件に関するお問い合わせ】**

ネクスジェン株式会社  
経営企画本部 芳賀麻紀子  
Email: [info@nextgem.jp](mailto:info@nextgem.jp)

**【神戸大学報道担当】**

神戸大学総務部広報課  
E-mail: [ppr-kouhoushitsu@office.kobe-u.ac.jp](mailto:ppr-kouhoushitsu@office.kobe-u.ac.jp)

以上